

## Las células madre como terapias

Manual de conceptos básicos sobre células madre | English

### Conversión de células madre en terapias

Las células madre tienen el potencial de tratar un amplio espectro de enfermedades, incluidas la diabetes, enfermedades neurodegenerativas, lesiones de la médula espinal y enfermedades cardíacas. Conozca por qué estas células constituyen un arma tan poderosa para el tratamiento de las enfermedades, así como los obstáculos que hay que sortear en la actualidad antes de que pueda haber disponibles nuevas terapias con células madre.

- ¿Cómo tratan las enfermedades las células madre?
- ¿Qué enfermedades podrían tratarse gracias a la investigación con células madre?
- ¿Cómo puedo obtener más información sobre las investigaciones con fondos del CIRM sobre una enfermedad en concreto?
- ¿Hay disponible en la actualidad alguna terapia basada en células madre?
- ¿Cuándo estarán disponibles terapias basadas en células madre embrionarias?
- ¿Qué hay de las terapias que hay disponibles en el extranjero?
- ¿Por qué lleva tanto tiempo crear nuevas terapias?
  - Diferenciación
  - Ensayo de la terapia
  - Propensión de las células a causar tumores
  - Rechazo inmune de las células
  - Cultivo de las células bajo condiciones sistemáticas

### ¿Cómo tratan las enfermedades las células madre?

El modo más habitual en que se piensa en las células madre como tratamiento para una enfermedad es a través de un trasplante de células madre. Las células madre embrionarias se diferencian en el tipo de célula necesario y entonces esas células maduras reemplazan el tejido dañado por la enfermedad o la lesión. Este tipo de tratamiento podría usarse para reemplazar neuronas dañadas por lesiones de médula espinal, accidentes cerebrovasculares, enfermedad de Alzheimer, enfermedad de Parkinson u otros problemas neurológicos. Las células cultivadas para producir insulina podrían ayudar a las personas con diabetes y las células de músculo cardíaco podrían reparar los daños que deja tras de sí un ataque al corazón. No sería descabellado pensar que esta lista podría incluir cualquier tejido lesionado o enfermo.

Todas estas áreas de investigación resultan apasionantes, pero las terapias basadas en células madre embrionarias van mucho más allá de los trasplantes de células. Lo que los investigadores aprenden del estudio de cómo se desarrollan las células madre embrionarias en células del músculo cardíaco, por ejemplo, podría proporcionar pistas sobre qué factores pueden ser capaces de inducir directamente que el músculo cardíaco se autorregene. Las células podrían utilizarse para estudiar la enfermedad, identificar nuevos fármacos o determinar los efectos secundarios tóxicos de fármacos. Cualquiera de estas posibilidades tendría un impacto significativo sobre la salud humana sin trasplantar una sola célula.

### ¿Qué enfermedades podrían tratarse gracias a la investigación con células madre?

En teoría, ninguna enfermedad está exenta de un posible tratamiento procedente de la investigación con células madre. Siempre que los investigadores puedan estudiar todos los tipos de células a través de células madre embrionarias, tienen el potencial de conseguir grandes adelantos en cualquier enfermedad.

### ¿Cómo puedo obtener más información sobre las investigaciones con fondos del CIRM sobre una enfermedad en concreto?

El CIRM ha creado páginas sobre enfermedades donde se explican las principales enfermedades objetivo de los científicos que estudian las células madre. Puede encontrar esas páginas sobre enfermedades aquí.

También puede ver la lista completa de becas del CIRM.

## ¿Hay disponible en la actualidad alguna terapia basada en células madre?

Los primeros ensayos con células madre embrionarias acaban de comenzar. Los resultados no estarán disponibles hasta dentro de muchos años, una vez se hayan completado los ensayos clínicos y estos muestren que las terapias son seguras y que funcionan en el tratamiento de la enfermedad. La única terapia basada en células madre actualmente en uso se emplea en el trasplante de médula ósea. Las células madre sanguíneas de la médula ósea fueron las primeras en identificarse y son ahora las primeras que se usan en entornos clínicos.

Las células madre sanguíneas son el componente de la médula ósea que resulta terapéutico en un trasplante de médula ósea. Con el aislamiento de células madre sanguíneas puras, ahora es posible transferir justo las células necesarias para reemplazar la médula ósea. Las células migran a la médula ósea apropiada donde se autorrenuevan y regeneran el sistema sanguíneo en su totalidad.

Los trasplantes de células madre sanguíneas se han utilizado con éxito en los tratamientos contra el cáncer y la investigación sugiere que serán útiles en el tratamiento de enfermedades autoinmunes y para ayudar a las personas a tolerar órganos trasplantados.

Existen otras terapias basadas en células madre adultas que aún se encuentran en la fase de ensayos clínicos. Hasta que esos ensayos no finalicen, no sabremos qué células madre son más eficaces en el tratamiento de diferentes enfermedades.

## ¿Cuándo estarán disponibles terapias basadas en células madre embrionarias?

No hay forma de predecir cuando estarán disponibles de forma general las primeras terapias basadas en células madre embrionarias humanas. Se han presentado solicitudes a la FDA para comenzar los primeros ensayos de terapias basadas en células madre embrionarias, aunque sólo se ha aprobado uno de ellos. En general, se estima que el periodo comprendido entre el primer ensayo en humanos y el uso generalizado se alargará en alrededor de una o dos décadas. Ese prolongado marco temporal es resultado de los muchos pasos que debe seguir una terapia para demostrar que es a la vez eficaz y segura. Sólo una vez que se hayan llevado a cabo todos esos pasos aprobará la FDA el uso general de la terapia.

Si las células madre embrionarias siguen su cauce normal, podrían pasar todavía muchos años antes de que las terapias basadas en ellas estén disponibles de forma general. Sin embargo, si los investigadores hubieran abandonado su trabajo sobre terapias que podrían tardar muchos años en desarrollarse, no tendríamos ninguna de las tecnologías médicas habituales hoy día, como la insulina recombinante, el trasplante de médula ósea o los fármacos para quimioterapia, todos ellos capaces de salvar vidas.

- Lea los diez datos imprescindibles que hay que conocer sobre los tratamientos con células madre (de la ISSCR)

### Información relacionada



Alan Lewis habla sobre cómo trasladar una terapia basada en células madre embrionarias a los pacientes (3:46)

## ¿Qué hay de las terapias que hay disponibles en el extranjero?

Muchas clínicas del extranjero publicitan milagrosas terapias con células madre para una amplia gama de enfermedades incurables. Estas clínicas alimentan lo que se denomina turismo de células madre y constituyen hoy día una fuente de preocupación para reputados científicos especialistas en células madre. Las clínicas internacionales proponen terapias cuya seguridad y eficacia ni siquiera se han probado. En años pasados, pacientes que visitaron esas clínicas fallecieron como resultado de recibir células madre no sometidas a ensayos previos.

La Sociedad internacional para la investigación con células madre se ofreció recientemente a pacientes que consideraban someterse a estos tratamientos para ayudarles a revisar la clínica a la que pensaban acudir. Los científicos de la ISSCR se pondrán en contacto con la clínica en cuestión para averiguar qué células se están utilizando en ella y, como mínimo, saber si dichas células se han sometido a ensayos para comprobar su seguridad.

Consulte la información de la ISSCR sobre turismo de células madre.

### Información relacionada



Jeanne Loring habla sobre las preocupaciones que suscita el turismo de células madre (3:38)



Equipo del CIRM/ISSCR sobre turismo de células madre

### ¿Por qué lleva tanto tiempo crear nuevas terapias?

Las células madre embrionarias en una cápsula de laboratorio tienen el potencial de tratar un amplio abanico de enfermedades. Sin embargo, el camino que lleva del laboratorio a la clínica es muy largo. Antes de probar esas células en una enfermedad humana, los investigadores deben cultivar el tipo de célula adecuado, encontrar una forma de ensayar esas células y asegurarse de que las células son seguras en animales antes de pasar a ensayos sobre humanos.

#### Información relacionada



Hans Keirstead habla sobre los obstáculos que hay que sortear para desarrollar una nueva terapia (5:07)

### Diferenciación de células madre

El primer obstáculo significativo al que se enfrenta cualquier terapia basada en células madre embrionarias es el de conseguir que células que podrían convertirse en cualquier tipo de célula del cuerpo se conviertan justamente en el tipo de célula necesario para tratar una enfermedad en concreto. El proceso de maduración de las células desde su estado de pluripotencialidad a un tipo de tejido adulto se denomina diferenciación. Este paso es necesario ya que cualquier terapia se basa en la implantación de células capaces de reemplazar el tejido perdido. En la diabetes, por ejemplo, las células implantadas deben ser capaces de responder a la glucosa en sangre y producir insulina. En las enfermedades cardíacas, las células implantadas deben poder contraerse al unisono con el músculo cardíaco existente.

Guiar a las células madre embrionarias para que se conviertan en un tipo de célula concreto ha sido uno de los mayores retos de los investigadores de células madre. Esas células se desarrollan normalmente en un embrión y reciben una serie de señales cuidadosamente coreografiadas de los tejidos circundantes. En una cápsula de laboratorio, los investigadores tienen que imitar esas señales para guiar a las células a través de un cauce de desarrollo determinado. Si se añaden las señales en el orden incorrecto o en la dosis inadecuada, las presuntas células cardíacas destinadas a tratar enfermedades del corazón pueden optar por no madurar o convertirse en otro tipo de célula.

Algunas de las señales necesarias para diferenciar las células se conocen de los pasados cien años de investigación sobre embriología en ranas, ratones, moscas y otros organismos. Otras muchas son aún desconocidas. Muchos investigadores financiados por el CIRM están tratando de diferenciar poblaciones de elevada pureza de tipos de células maduros para las terapias.

#### Información relacionada



Mark Mercola habla sobre la diferenciación de células en tejidos adultos (3:37)

### Ensayos de las terapias de células madre

Una vez que un investigador tiene un tipo de célula madura en una cápsula de laboratorio, el siguiente paso consiste en descubrir si dichas células pueden funcionar en el cuerpo. Células madre embrionarias que han madurado hasta convertirse en células productoras de insulina en una cápsula de laboratorio sólo son útiles si continúan produciendo insulina dentro de un cuerpo. Igualmente, los investigadores necesitan saber que las células pueden integrarse en el tejido circundante.

Para probar las células es preciso encontrar un modelo animal que imite la enfermedad humana y, a continuación, implantar las células para ver si ayudan a tratar la enfermedad. Estos tipos de experimentos pueden resultar muy laboriosos. En caso de una lesión de médula espinal, por ejemplo, el objetivo último sería descubrir si las células trasplantadas permiten el completo movimiento del animal lesionado, el equivalente animal de liberar a una persona de una silla de ruedas. Sin embargo, incluso si las células no devuelven el movimiento completo, es posible que restablezcan la función de la vejiga u otras funciones, lo que seguiría suponiendo un enorme beneficio para las personas. Los investigadores tienen que examinar cada uno de estos posibles resultados.

En muchos casos, probar las células en un único modelo animal no proporciona suficiente información para saber que las células puedan ser eficaces en humanos. La mayoría de modelos animales de enfermedades no imitan a la perfección la enfermedad humana. Por ejemplo, un ratón portador de la misma mutación que provoca la fibrosis quística en humanos no presenta los mismos síntomas que las personas con la enfermedad. Es posible que una terapia basada en células madre embrionarias que trate este modelo en ratón de la fibrosis quística no funcione en humanos. Éste es el motivo por el que los investigadores suelen necesitar probar las células en muchos modelos animales distintos, estudiando en cada caso todos los posibles resultados.

### **Propensión de las células madre a causar tumores**

La promesa de las células madre embrionarias es que pueden formar cualquier tipo de célula del cuerpo. El problema es que, cuando se implantan en un animal, hacen justo eso, se transforman en todos los tipos de tejido en forma de tumores llamados teratomas. Estos tumores constan de una masa de numerosos tipos de células y pueden incluir células capilares y muchos otros tejidos.

Estos teratomas son una de las razones por las que es necesario hacer madurar las células madre embrionarias hasta convertirlas en tipos de células adultos altamente purificados antes de considerarlas apropiadas para su implantación en humanos. Las células maduras quedan restringidas a su propia identidad y no parecen revertir en células formadoras de teratomas. Aun cuando los investigadores han aprendido a madurar células hasta convertirlas en un único tipo de células, conseguir que dichas células sean lo suficientemente puras como para eliminar el riesgo de que las células inmaduras restantes puedan formar teratomas ha sido extremadamente difícil.

### **Información relacionada**



**Paul Knoepfler habla sobre la tendencia de las células madre embrionarias a formar tumores (4:10)**

Publicación de la UC Davis: UC Davis researcher focuses on stem cell safety

### **Rechazo inmune de las células madre**

El sistema inmunitario puede reconocer las células madre trasplantadas, como cualquier otro órgano trasplantado, como extrañas y, en consecuencia, rechazarlas. En los trasplantes de órganos (hígado, riñón o corazón) las personas deben seguir un tratamiento de fármacos inmunosupresores durante el resto de sus vidas para impedir que el sistema inmunitario reconozca el órgano trasplantado como extraño y lo destruya.

La probabilidad de que el sistema inmunitario rechace un trasplante de tejido basado en células madre embrionarias depende del origen de dicho tejido. Las células madre aisladas a partir de embriones de FIV tendrán un perfil genético que no encajará con el de la persona que reciba el trasplante. El sistema inmunitario de dicha persona reconocerá dichas células como extrañas y rechazará el tejido a menos que la persona reciba tratamiento con potentes fármacos inmunosupresores.

Las células madre generadas a partir de transferencia nuclear o iPS encajarían genéticamente a la perfección con una persona. Es probable que el sistema inmunitario pase por alto el tejido trasplantado y lo viera como una parte normal del cuerpo. Con todo, algunos investigadores sugieren que incluso si las células se ajustan a la perfección, es posible que no escapen por completo de la atención del sistema inmunitario. Las células cancerosas, por ejemplo, tienen el mismo perfil genético que el tejido circundante y, aún así, el sistema inmunitario identificará y destruirá con frecuencia tumores tempranos. Hasta que no haya disponible más información procedente de estudios en animales, será difícil saber si las células trasplantadas específicas para un paciente son proclives o no a llamar la atención del sistema inmunitario.

### **Información relacionada**



**Jeffrey Bluestone habla sobre el rechazo inmune de terapias basadas en células madre (4:05)**

### **Cultivo de las células madre bajo condiciones sistemáticas**

Para que la FDA apruebe su uso en ensayos en humanos, las células madre deben cultivarse en lo que se conoce como condiciones de buenas prácticas de producción (BPP). Según los estándares de BPP, una línea de células debe cultivarse de modo tal que cada grupo de células crezca en condiciones idénticas y repetibles. Así se garantiza que cada lote de células tenga las mismas propiedades y que cada persona que se beneficie de una terapia con células madre obtenga un tratamiento equivalente. Aunque la FDA no ha emitido

pautas sobre el modo en que es preciso cultivar las células madre pluripotentes para cumplir con los estándares de BPP, alcanzar este nivel de sistematización podría implicar conocer la identidad y la cantidad exactas de todos los componentes del medio en que las células se cultivan.

Cultivar células madre bajo condiciones controladas estrictamente sigue siendo un reto. La mayoría de células madre pluripotentes se cultivan en fibroblastos, que son una capa de células humanas o animales en la cápsula de laboratorio que proporciona los nutrientes que las células necesitan para crecer y dividirse. Estos fibroblastos producen una mezcla de factores que nutren a las células madre embrionarias y permiten que dichas células proliferen en el entorno extraño que supone la cápsula de laboratorio. A día de hoy, los científicos no saben con exactitud qué es lo que proporcionan los fibroblastos, de modo que su uso probablemente no cumpliría con los estándares de BPP. El CIRM financia a investigadores que tratan de aprender cómo cultivar líneas de células madre pluripotentes en ausencia de fibroblastos, y cómo aislar nuevas líneas según los estándares de BPP.

*Updated 9/08*

---

**Source URL:** <https://www.cirm.ca.gov/our-progress/las-c%C3%A9lulas-madre-como-terapias>